



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/645178/2022
EMA/H/C/005352

Upstaza (eladokagen exuparvovek)

Prehľad o lieku Upstaza a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Upstaza a na čo sa používa?

Upstaza je liek na génovú terapiu, ktorý sa používa u dospelých a detí vo veku od 18 mesiacov so závažným nedostatkom aromatickej L-aminokyseliny dekarboxylázy (AADC) s geneticky potvrdenou diagnózou.

Nedostatok AADC je dedičné ochorenie, ktoré postihuje nervový systém a vedie k takým príznakom, ako sú oneskorenia vývinu, slabý svalový tonus a neschopnosť kontrolovať pohyb končatín.

Nedostatok AADC je zriedkavé ochorenie, a preto bol liek Upstaza 18. novembra 2016 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia môžete nájsť tu: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161786.

Upstaza je druh lieku na inovatívnu liečbu a označuje sa ako tzv. liek na génovú terapiu. Ide o druh lieku, ktorý účinkuje tak, že telu dodáva gény.

Liek Upstaza obsahuje eladokagen exuparvovek, funkčnú verziu génu AADC v rámci modifikovaného vírusu (adeno-asociovaný vírusový vektor). Nie je známe, že by vírus používaný v tomto lieku spôsobil u ľudí ochorenie.

Ako sa liek Upstaza používa?

Výdaj lieku Upstaza je viazaný na lekársky predpis a liek musí podávať v operačnej miestnosti v anestézii lekár, ktorý má skúsenosti s operáciou mozgu. Podáva sa formou infúzie do mozgu. Po infúzii pacient podstúpi vyšetrenie mozgu. Lekár bude sledovať zotavenie a kontrolovať akékoľvek vedľajšie účinky chirurgického zákroku a liečby.

Viac informácií o používaní lieku Upstaza si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárničku.

Akým spôsobom liek Upstaza účinkuje?

Nedostatok AADC je spôsobený mutáciami v géne, ktorý produkuje enzým AADC. Tento enzým je potrebný na výrobu dopamínu, neurotransmitera, ktorý je dôležitý pre kontrolu pohybu. Pacienti s nedostatkom AADC nemajú náležite funkčnú verziu enzýmu, čo má za následok veľmi malú alebo žiadnu tvorbu dopamínu v mozgu. Liek sa skladá z vírusu, ktorý obsahuje pracovnú verziu génu AADC.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Keď sa liek podá pacientovi, predpokladá sa, že vírus prenesie gén AADC do nervových buniek, čo im umožní produkovať chýbajúci enzým. Predpokladá sa, že to následne umožní bunkám produkovať dopamín, ktorý potrebujú na správne fungovanie, čím sa zmiernia symptómy tohto ochorenia.

Aké prínosy lieku Upstaza boli preukázané v štúdiách?

Prínosy lieku Upstaza sa preukázali v troch hlavných štúdiách, na ktorých sa zúčastnilo 28 detí vo veku od 1,5 do 8,5 roka so závažným nedostatkom AADC potvrdeným genetickým testom. Hlavným meradlom účinnosti bolo ovládanie hlavy a schopnosť sedieť bez pomoci. V štúdiách sa preukázalo, že približne 70 % (14 z 20) pacientov bolo schopných ovládať pohyb hlavy a približne 65 % (12 z 20) pacientov mohlo sedieť bez pomoci dva roky po liečbe. Z údajov z vedeckej literatúry vyplynulo, že pacienti so závažným nedostatkom AADC, ktorí nedostali žiadnu liečbu, nemohli dosiahnuť tieto vývojové medzníky.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Upstaza?

Najčastejší vedľajší účinok lieku Upstaza (ktorý môže postihnúť viac ako 1 osobu z 10) je dyskinéza (neovládateľné pohyby).

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Upstaza a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Prečo bol liek Upstaza povolený v EÚ?

V troch hlavných štúdiách sa preukázalo, že liek Upstaza je účinný pri zlepšovaní schopnosti ovládať pohyb hlavy a sedieť u pacientov s nedostatkom AADC. Keďže nedostatok AADC je veľmi zriedkavé ochorenie, štúdia bola malá, ale z dostupných krátkodobých údajov vyplýva, že liek Upstaza by mohol byť účinný pri dosahovaní dôležitých vývojových medzníkov u detí. Aj keď sú údaje o bezpečnosti lieku Upstaza obmedzené, doteraz pozorované vedľajšie účinky sa považujú za zvládnuteľné. Európska agentúra pre lieky rozhodla, že prínosy lieku Upstaza sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ aj u dospelých s nedostatkom AADC vzhľadom na závažnosť tohto ochorenia a nedostatok existujúcich terapií.

Liek Upstaza bol povolený za tzv. mimoriadnych okolností. To znamená, že kvôli zriedkavosti tejto indikácie nebolo možné získať všetky informácie o lieku. Európska agentúra pre lieky každý rok prehodnocuje všetky nové dostupné informácie a podľa potreby aktualizuje tento súhrn.

Aké informácie o lieku Upstaza dosiaľ neboli predložené?

Keďže liek Upstaza bol povolený za mimoriadnych okolností, spoločnosť, ktorá liek Upstaza uvádza na trh, predloží ďalšie údaje z prebiehajúcich štúdií a uskutoční novú štúdiu na ďalšiu charakterizáciu dlhodobej bezpečnosti a účinnosti lieku Upstaza.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Upstaza?

Spoločnosť, ktorá liek Upstaza uvádza na trh, musí zabezpečiť, aby v nemocniciach, kde sa liek Upstaza podáva, boli k dispozícii príslušné odborné znalosti, zariadenia a zaškolenie.

Spoločnosť musí zdravotníckym pracovníkom a pacientom poskytnúť vzdelávacie materiály týkajúce sa chirurgického postupu a možných vedľajších účinkov.

Spoločnosť musí tiež poskytnúť ďalšie údaje, aby ďalej preukázala, že liek Upstaza sa vyrába v súlade s rovnakými normami kvality.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Upstaza boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Upstaza sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Upstaza sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Upstaza

Ďalšie informácie o lieku Upstaza sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/upstaza.